

Pharming Group maakt presentaties bekend die gegeven gaan worden tijdens het International Primary Immunodeficiencies Congress en de American College of Allergy, Asthma & Immunology Annual Scientific Meeting

Leiden, 7 november 2023: Pharming Group N.V. ("Pharming" of "de Onderneming") (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) maakt bekend dat er in november 14 posterpresentaties over leniolisib en RUCONEST® gegeven gaan worden door onderzoekers of medewerkers tijdens het *International Primary Immunodeficiencies Congress (IPIC)* en de *American College of Allergy, Asthma & Immunology (ACAAI) Annual Scientific Meeting*.

IPIC, Rotterdam, 8 - 10 november 2023

- *Benaderingen voor familietesten voor autosomaal dominante aangeboren immuunstoornissen in Europa: resultaten van een geblindeerde survey; **Poster #204:** donderdag 9 november, 08:00-08:30 uur*
- *Resultaten van een tweede tussentijdse analyse van een lopende enkelarmige open-label extensiestudie met leniolisib in geactiveerd PI3K delta syndroom: werkzaamheid en veiligheid op lange termijn tot maart 2023; **Poster #214:** donderdag 9 november, 10:00-10:30 uur*
- *Kwalitatief internationaal onderzoek naar de symptomen en de impact op de kwaliteit van leven van het geactiveerde fosfoinositide 3-kinase delta syndroom (APDS): tussentijdse bevindingen; **Poster #152:** Vrijdag 10 november, 15:15-15:45 uur*
- *Een gerandomiseerde, placebogecontroleerde fase III-studie met leniolisib bij geactiveerd PI3K δ -syndroom: subgroep-analyse volwassenen versus adolescenten; **Poster#213***
- *Gastro-intestinale manifestaties bij patiënten met geactiveerd PI3K-delta syndroom (APDS) behandeld met leniolisib; **Poster #133***
- *Beoordeling van langdurige behandeling met leniolisib en de effecten op verwijde en ontstoken luchtwegen bij patiënten met geactiveerd PI3K-delta syndroom (APDS); **Poster #148***
- *Behandeling met de selectieve PI3K-remmer leniolisib in een atypisch geval van geactiveerd PI3K delta syndroom (APDS); **Poster #194.***
- *Het gebruik van proxy-ziekten voor het modelleren van het geactiveerd PI3K-delta syndroom (APDS) zorggebruik en uitkomsten; **Poster #151***
- *Het PIDCAP-project: Het ontwikkelen van een op waarschuwingssignalen-gebaseerd algoritme voor gebruik in een screeningsinstrument voor aangeboren immuunstoornissen in een elektronisch gezondheidsdossier; **Poster #85***
- *Gecompileerd beloop van geactiveerd PI3K δ -syndroom-1 (APDS-1) verbeterd door leniolisib: een casestudie; **Poster #264***

Alle posters worden gedurende het congres getoond. Data en tijden voor de posters die deel uitmaken van de 'Guided Poster Walk' korte presentaties staan hierboven vermeld.

ACAAI, Anaheim, Californië, VS, 9 - 13 november 2023

APDS

- *Sterfte bij patiënten met het geactiveerde fosfoïnositide 3-Kinase Delta-syndroom, een systematisch literatuuroverzicht; Poster #P165:* gepresenteerd op zaterdag 11 november 2023 om 21:30 uur, Anaheim Convention Center Exhibit Hall
- *Algehele overleving bij patiënten met het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase delta syndroom; Poster #P166:* gepresenteerd op zaterdag 11 november 2023 om 21:35 uur. Tentoonstellingszaal congrescentrum Anaheim

RUCONEST®

- *Omgaan met primaire immunodeficiëntie immunoglobulinevervangingstherapie-gerelateerde bijwerkingen: Profylaxe met recombinante humane C1-esteraseremmer; Poster #M234:* gepresenteerd op zaterdag 11 november 2023 om 00:00 uur, Anaheim Convention Center Exhibit Hall
- *Behandeling op verzoek voor aanvallen van erfelijk angio-oedeem: Rol van geïndividualiseerde managementstrategie; Poster #M150:* gepresenteerd op 12 november 2023 om 21:15 uur, Anaheim Convention Center Exhibit Hall

Naast de vertoning in de expositiehal op de aangegeven tijden, zullen de Posters online en op aanvraag toegankelijk zijn voor geregistreerde deelnemers op donderdag 9 november 2023, vanaf 17:00 uur op de website van ACAAI.

Over het geactiveerde fosfoïnositide 3-kinase δ syndroom (APDS)

APDS is een zeldzame primaire aandoening aan het immuunsysteem die voor het eerst werd gekarakteriseerd in 2013. APDS wordt veroorzaakt door varianten in een van de twee geïdentificeerde genen die bekend staan als *PIK3CD* of *PIK3R1*, die van vitaal belang zijn voor de ontwikkeling en functie van immuuncellen in het lichaam. Varianten van deze genen veroorzaken hyperactiviteit van de PI3K δ (phosphoïnositide 3-kinase delta) *pathway*, waardoor immuuncellen niet goed rijpen en functioneren, wat weer leidt tot immunodeficiëntie en ontregeling^{1,2,3} APDS wordt gekenmerkt door een verscheidenheid aan symptomen, waaronder ernstige, terugkerende sinopulmonale infecties, lymfoproliferatie, auto-immuniteit en enteropathie.^{4,5} Omdat deze symptomen geassocieerd kunnen worden met een verscheidenheid aan aandoeningen, waaronder andere primaire immuno-deficiënties, is bekend dat mensen met APDS vaak een onjuiste diagnose krijgen en een mediane diagnostische vertraging van 7 jaar oplopen.⁶ Omdat APDS een progressieve ziekte is, kan deze vertraging in de loop van de tijd leiden tot een opeenstapeling van schade, waaronder blijvende longschade en lymfeklierkanker.⁴⁻⁷ Een definitieve diagnose kan worden gesteld door middel van genetische testen. APDS treft wereldwijd ongeveer 1 tot 2 mensen per miljoen.

Over leniolisib

Leniolisib is een orale kleine molecule fosfoïnositide 3-kinase delta (PI3K δ)-remmer die in de VS is goedgekeurd als de eerste en enige gerichte behandeling van het geactiveerde fosfoïnositide 3-

kinase delta (PI3Kδ)-syndroom (APDS) bij volwassen en pediatrische patiënten van 12 jaar en ouder. Leniolisib remt de productie van fosfatidylinositol-3-4-5-trisfosfaat, dat dient als een belangrijke cellulaire boodschapper en een veelheid aan celfuncties reguleert, zoals proliferatie, differentiatie, cytokineproductie, celoverleving, angiogenese en metabolisme. Resultaten van een gerandomiseerde, placebogecontroleerde Fase II/III klinische studie toonden de klinische werkzaamheid van leniolisib aan in de primaire eindpunten; het toonde een statistisch significante impact op immuun-disregulatie en normalisatie van het immunofenotype bij deze patiënten, en tussentijdse open-label uitbreidingsgegevens ondersteunden de veiligheid en verdraagbaarheid van leniolisib toediening op lange termijn.⁸ Leniolisib wordt momenteel door het Europees Geneesmiddelenbureau gecontroleerd en er zijn plannen om verdere reglementaire goedkeuringen na te streven in het VK, Canada, Australië en Japan. Leniolisib wordt ook geëvalueerd in een Fase III klinische studie bij kinderen van 4 tot 11 jaar met APDS, met een verdere studie gepland bij kinderen van 1 tot 6 jaar met APDS.

Over Pharming Group N.V.

Pharming Group N.V. (EURONEXT Amsterdam: PHARM/Nasdaq: PHAR) is een wereldwijd biofarmaceutische onderneming die zich richt op het transformeren van het leven van patiënten met zeldzame, slopende en levensbedreigende ziekten. Pharming commercialiseert en ontwikkelt een innovatieve portfolio van eiwitvervangingstherapieën en precisiegeneesmiddelen, waaronder kleine moleculen, biologische geneesmiddelen en genterapieën die zich in een vroeg tot laat ontwikkelingsstadium bevinden. Pharming heeft haar hoofdkantoor in Leiden, en medewerkers over de hele wereld die patiënten bedienen in meer dan 30 markten in Noord-Amerika, Europa, het Midden-Oosten, Afrika en Azië-Pacific.

Ga voor meer informatie naar www.pharming.com en vind ons op [LinkedIn](#).

Toekomstgerichte verklaringen

Dit persbericht kan toekomstgerichte uitspraken bevatten. Toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen over toekomstige verwachtingen die gebaseerd zijn op de huidige verwachtingen en aannames van het management en die bekende en onbekende risico's en onzekerheden met zich meebrengen die ertoe kunnen leiden dat de werkelijke resultaten, prestaties of gebeurtenissen wezenlijk verschillen van die uitgedrukt of geïmpliceerd in deze verklaringen. Deze toekomstgerichte verklaringen zijn te herkennen aan het gebruik van termen en uitdrukkingen als "streven", "ambitie", "anticiperen", "geloven", "zouden kunnen", "schatten", "verwachten", "doelen", "voornemen", "kunnen", "mijlpalen", "doelstellingen", "vooruitzicht", "plan", "waarschijnlijk", "project", "risico's", "planning", "streven", "zouden moeten", "doel", "zullen" en soortgelijke termen en zinnen. Voorbeelden van toekomstgerichte verklaringen zijn verklaringen met betrekking tot de timing en voortgang van Pharmings preklinische studies en klinische proeven van haar kandidaat-producten, Pharmings klinische en commerciële vooruitzichten, en Pharmings verwachtingen met betrekking tot haar verwachte behoefte aan werkkapitaal en kasmiddelen, welke verklaringen onderhevig zijn aan een aantal risico's, onzekerheden en veronderstellingen, met inbegrip van, maar niet beperkt tot de omvang, voortgang en uitbreiding van Pharmings klinische

proeven en vertakkingen voor de kosten daarvan; en klinische, wetenschappelijke, regelgevende en technische ontwikkelingen. In het licht van deze risico's en onzekerheden, en andere risico's en onzekerheden die worden beschreven in Pharmings jaarverslag 2022 en het jaarverslag op Form 20-F voor het jaar eindigend op 31 december 2022, ingediend bij de Amerikaanse Securities and Exchange Commission, is het mogelijk dat de gebeurtenissen en omstandigheden die worden besproken in dergelijke toekomstgerichte verklaringen zich niet voordoen, en Pharmings werkelijke resultaten zouden wezenlijk en nadelig kunnen verschillen van die verwacht of geïmpliceerd daardoor. Alle toekomstgerichte uitspraken in dit persbericht worden uitdrukkelijk in hun geheel gekwalificeerd door de waarschuwende uitspraken die zijn opgenomen of waarnaar wordt verwezen in deze sectie. Lezers moeten niet overmatig vertrouwen op toekomstgerichte verklaringen. Eventuele toekomstgerichte verklaringen gelden alleen op de datum van dit persbericht en zijn gebaseerd op informatie waarover Pharming beschikt op de datum van dit bericht. Pharming neemt geen enkele verplichting op zich om deze verklaringen publiekelijk bij te werken of te herzien.

Voorkennis

Dit persbericht heeft betrekking op de openbaarmaking van informatie die gekwalificeerd kan worden of gekwalificeerd zou kunnen zijn als voorwetenschap in de zin van artikel 7(1) van de EU Marktmissbruik Verordening.

Referenties

1. Lucas CL, et al. Nat Immunol. 2014;15(1):88-97.
2. Elkaim E, et al. J Allergy Clin Immunol. 2016;138(1):210-218.
3. Nunes-Santos C, Uzel G, Rosenzweig SD. J Allergy Clin Immunol. 2019;143(5):1676-1687.
4. Coulter TI, et al. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597-606.
5. Maccari ME, et al. Front Immunol. 2018;9:543.
6. Jamee M, et al. Clin Rev Allergy Immunol. 2019;May 21.
7. Condliffe AM, Chandra A. Front Immunol. 2018;9:338.
8. RAO VK, et al Blood. 2023 mrt 2;141(9):971-983

Voor meer informatie kunt u contact opnemen met:

Pharming Group, Leiden

Michael Levitan, VP Investor Relations & Communications

T: +1 (908) 705 1696

Heather Robertson, Investor Relations & Corporate Communications Manager

E: investor@pharming.com

LifeSpring Life Sciences Communicatie, Amsterdam

Leon Melens

T: +31 6 53 81 64 27

E: pharming@lifespring.nl

FTI Consulting, Londen, Verenigd Koninkrijk
Victoria Foster Mitchell/Alex Shaw/Amy Byrne
T: +44 203 727 1000

PR VS
Ethan Metelenis
E: Ethan.Metelenis@precisionvh.com
T: +1 (917) 882 9038

EU PR
Claire Dobbs
E: claire.dobbs@solarishealth.com
T: +44 7864 640093